



Euroopan unionin
neuvosto

Bryssel, 28. huhtikuuta 2023
(OR. en)

08759/23
ADD 6

Toimielinten välinen asia:
2023/0132(COD)

SAN 217
PHARM 63
MI 340
COMPET 372
ENV 428
PI 51
CODEC 726
IA 84

SAATE

Lähettiläjä:	Euroopan komission pääsihteeri, allekirjoittajana johtaja Martine DEPREZ
Saapunut:	26. huhtikuuta 2023
Vastaanottaja:	Thérèse BLANCHET, Euroopan unionin neuvoston pääsihteeri
Kom:n asiak. nro:	SWD(2023) 193 final
Asia:	KOMISSION YKSIKÖIDEN VALMISTELUASIAKIRJA TIIVISTELMÄ VAIKUTUSTENARVIOINNISTA Tiivistelmä vaikutustenarvioinnista Oheisasiakirja ehdotukseen Euroopan parlamentin ja neuvoston direktiiviksi ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä koskevista unionin säännöistä sekä direktiivin 2001/83/EY ja direktiivin 2009/35/EY kumoamisesta ehdotukseen Euroopan parlamentin ja neuvoston asetukseksi ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä koskevista unionin lupa- ja valvontamenettelyistä ja Euroopan lääkevirastoa koskevista säännöistä, asetuksen (EY) N:o 1394/2007 ja asetuksen (EU) N:o 536/2014 muuttamisesta sekä asetuksen (EY) N:o 726/2004, asetuksen (EY) N:o 141/2000 ja asetuksen (EY) N:o 1901/2006 kumoamisesta

Valtuuskunnille toimitetaan oheisena asiakirja SWD(2023) 193 final.

Liite: SWD(2023) 193 final



EUROOPAN
KOMISSIO

Bryssel 26.4.2023
SWD(2023) 193 final

PART 1/2

KOMISSION YKSIKÖIDEN VALMISTELUASIAKIRJA
TIIVISTELMÄ VAIKUTUSTENARVIOINNISTA

Tiivistelmä vaikutustenarvioinnista

Oheisasiakirja

ehdotukseen Euroopan parlamentin ja neuvoston direktiiviksi ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä koskevista unionin säännöistä sekä direktiivin 2001/83/EY ja direktiivin 2009/35/EY kumoamisesta

ehdotukseen Euroopan parlamentin ja neuvoston asetukseksi ihmisille tarkoitettuja lääkkeitä koskevista unionin lupa- ja valvontamenettelyistä ja Euroopan lääkevirastoa koskevista säännöistä, asetuksen (EY) N:o 1394/2007 ja asetuksen (EU) N:o 536/2014 muuttamisesta sekä asetuksen (EY) N:o 726/2004, asetuksen (EY) N:o 141/2000 ja asetuksen (EY) N:o 1901/2006 kumoamisesta

{COM(2023) 192 final} - {COM(2023) 193 final} - {SEC(2023) 390 final} -
{SWD(2023) 191 final} - {SWD(2023) 192 final}

1. Toimenpiteen tarve

Mikä on ongelma ja miksi se on ongelma EU:n tasolla?

EU:n lääkelainsäädännön puitteissa myönnetään myyntilupia turvallisille, tehokkaille ja korkealaatuisille lääkkeille. Lääkkeiden saanti potilaita varten koko EU:ssa ja toimitusvarmuus ovat kuitenkin kasvavia huolenaiheita, mikä on todettu viimeaikaisissa neuvoston päätelmissä ja Euroopan parlamentin päätöslauselmissa. Lääkelainsäädäntöön sisältyy sääntelykannustimia ja sillä edistetään innovointia, mutta innovointi ei aina kohdistu täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin. Myös markkinat toimivat puutteellisesti, erityisesti kun on kyse mikrobilääkeresistenssin torjuntaa helpottavien uusien mikrobilääkkeiden kehittämisestä. Tieteellistä ja teknologista kehitystä ja digitalisaatiota ei hyödynnetä täysimääräisesti, ja lisäksi on kiinnitettävä huomiota lääkkeiden ympäristövaikutuksiin. Itse myyntilupajärjestelmää olisi hyödyllistä yksinkertaistaa, jotta se pysyisi maailmanlaajuisen sääntelykilpailun tasalla. Ongelmia pahentavat lainsäädännön soveltamisalaan kuulumattomat tekijät, kuten maailmanlaajuinen tutkimus- ja innovointitoiminta tai kansalliset hinnoittelu- ja korvattavuuspäätökset. Sen vuoksi kaikkia ongelmia ei voida ratkaista pelkästään lainsäädännön tarkistamisella. EU:n lainsäädäntö voi kuitenkin olla mahdollistava ja yhdistävä tekijä innovoinnin, saatavuuden, kohtuuhintaisuuden ja ympäristönsuojelun parantamiseksi.

Mitä toimenpiteellä on tarkoitus saada aikaan?

Aloite perustuu korkeatasoiseen kansanterveyden suojeluun ja lääkkeiden myyntilupamenettelyjen yhdenmukaistamiseen, jotta potilaille koko EU:ssa voidaan toimittaa heidän tarvitsemiaan lääkkeitä tasapuolisesti, oikea-aikaisesti ja luotettavasti. Alan maailmanlaajuisen kilpailukyvyn ja innovointivoiman tukemiseksi on löydettävä oikea tasapaino innovointia – mukaan lukien täyttämättömiä lääketieteellisiä tarpeita koskeva innovointi – edistävien kannustimien tarjoamisen ja saatavuutta ja kohtuuhintaisuutta parantavien toimenpiteiden välillä. Sääntelykehystä on yksinkertaistettava ja mukautettava tieteellisiin ja teknologisiin muutoksiin, ja sen on edistettävä lääkkeiden ympäristövaikutusten vähentämistä.

Mitä lisäarvoa saadaan toimenpiteen toteuttamisesta EU:n tasolla (toissijaisuusperiaate)?

Lääkkeiden saatavuuden varmistamisella on selkeä kansanterveydellinen merkitys EU:ssa. Nykyinen yhdenmukaistamisen taso osoittaa, että lääkkeiden myyntilupien myöntämistä voidaan säännellä tehokkaasti EU:n tasolla. Jäsenvaltioiden koordinoimattomat toimenpiteet voivat johtaa kilpailun vääristymiseen ja EU:n sisäisen kaupan esteisiin sellaisten valmisteiden osalta, jotka ovat merkityksellisiä koko EU:n kannalta. Aloitteessa kunnioitetaan jäsenvaltioiden yksinomaista toimivaltaa terveydenhuoltopalvelujen sekä lääkkeiden hinnoittelun ja korvattavuuden osalta.

2. Ratkaisut

Millä vaihtoehdoilla tavoitteet saavutettaisiin? Onko jokin vaihtoehto arvioitu parhaaksi? Jos ei, miksi?

Arvioinnissa tarkasteltiin kolmea vaihtoehtoa, joihin kaikkiin liittyvät seuraavat yhteiset osatekijät:

- 1) kevennetyt sääntelymenettelyt;

- 2) toimenpiteet teknologisen ja tieteellisen kehityksen huomioon ottamiseksi, mukaan lukien uudet käsitteet (esim. reaali maailman näyttö), terveysdatan käyttö, sähköiset toimitukset ja sähköiset valmistetiedot;
- 3) tehostettu yhteistyö ja varhaisessa vaiheessa käytävä vuoropuhelu lääkkeiden elinkaareen liittyvien muiden sääntelykehysten osalta ja muiden toimijoiden kanssa esimerkiksi lääkinnällisistä laitteista ja terveydenhuollon menetelmien arvioinnista;
- 4) mukautetut vaatimukset muuntogeenisistä organismeista koostuvien tai niitä sisältävien lääkkeiden ympäristöriskien arviointia varten; ja
- 5) mikrobilääkkeiden maltillista käyttöä koskevat toimenpiteet.

Vaihtoehdossa A säilytetään innovatiivisten lääkkeiden (alkuperäislääkkeiden) nykyinen sääntelysuojajärjestelmä (8 vuoden dokumentaatio suoja + 2 vuoden markkinointisuoja), johon lisätään 1 vuoden suoja sellaisille valmisteille, jotka vastaavat täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin, ja 6 kuukautta vertaileviin kliinisiin lääketutkimuksiin. Lisäksi sääntelysuojaa jatketaan 6 kuukaudella, jos innovatiivinen valmiste asetetaan saataville kaikissa jäsenvaltioissa 5 vuoden kuluessa myyntiluvan myöntämisestä. Mikrobilääkeresistenssiä vähentäville uusille mikrobilääkkeille myönnetään siirrettävissä oleva yksinoikeusseteli. Yksinoikeusseteli jatkaa sääntelysuojaa 1 vuodelle, ja se voidaan myydä toiselle yritykselle ja käyttää kyseisen yrityksen tuotevalikoimaan kuuluvaan valmisteseen. Nykyiset toimitusvarmuuteen liittyvät vaatimukset säilytetään (markkinoilta poistamisesta on ilmoitettava vähintään 2 kuukautta etukäteen). Ympäristöriskien arviointia koskevia nykyisiä vaatimuksia sovelletaan edelleen, ja niihin liitetään uusia ilmoitusvelvollisuuksia.

Vaihtoehdossa B säädetään 6 vuoden dokumentaatio suoja + 2 vuoden markkinointisuoja kaikille innovatiivisille lääkkeille. Lisäksi siinä annetaan 2 vuotta lisää sääntelysuojaa lääkkeille, joilla vastataan täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin tai joihin sijoitetun pääoman osoitetaan jäävän ilman tuottoa. Yrityksillä on joko oltava mikrobilääke tuotevalikoimassaan tai niiden on suoritettava maksuja rahastoon, josta rahoitetaan uusien mikrobilääkkeiden kehittämistä. Yrityksillä on velvollisuus saattaa EU:n laajuisen myyntiluvan saaneet lääkkeet markkinoille useimmissa jäsenvaltioissa (pienet markkinat mukaan luettuina), ja niiden saaman julkisen rahoituksen on oltava läpinäkyvää. Nykyiset toimitusvarmuuteen liittyvät vaatimukset säilytetään, ja yritysten on ennen lääkkeen poistamista markkinoilta tarjottava myyntilupaansa siirrettäväksi toiselle yritykselle. Yrityksille asetetaan ympäristöriskien arviointiin liittyviä uusia velvoitteita.

Vaihtoehdossa C säädetään kestoaltaan vaihtelevasta sääntelysuojasta ja siihen liittyvistä velvoitteista. Alkuperäisvalmisteiden sääntelysuoja koostuu vakioajasta ja ehdollisista ajanjaksoista. Vakioaika on 6 vuotta dokumentaatio suoja +2 vuotta markkinointisuoja, jota voidaan jatkaa (ehdollisella) 1 tai 2 vuoden jaksolla, jos valmiste asetetaan saataville kaikissa jäsenvaltioissa. Lisäksi suoja voidaan jatkaa 1 vuodelle sellaisten alkuperäislääkkeiden osalta, jotka vastaavat täyttämättömään lääketieteelliseen tarpeeseen, ja 6 kuukaudella vertailevia lääketutkimuksia varten. Kannustimia voidaan yhdistää, mutta ne eivät saa ylittää nykyistä (8 + 2 vuoden) sääntelysuojaa. Mikrobilääkeresistenssin torjumiseksi käytetään siirrettävissä olevia yksinoikeusseteleitä, kuten vaihtoehdossa A. Yritysten on annettava tietoa kliinisten lääketutkimusten julkisesta rahoituksesta. Lääkepulaa koskevaa raportointia koskevat järjestelyt yhdenmukaistetaan, ja vain kriittiset pulat saatetaan käsiteltäviksi EU:n tasolla. Yrityksillä on velvollisuus ilmoittaa lääkkeiden mahdollisesta pulasta aikaisemmin, ja niiden on tarjottava myyntilupaansa siirrettäväksi toiselle yritykselle ennen lääkkeen poistamista markkinoilta. Ympäristöriskien arviointia ja käyttöedellytyksiä koskevia

vaatimuksia tiukennetaan, kuten vaihtoehdossa B, ja lisäksi mikrobilääkeresistenssiin liittyvät näkökohdat sisällytetään hyviin tuotantotapoihin.

Mitkä ovat eri sidosryhmien näkemykset? Mitkä toimijat kannattavat mitäkin vaihtoehtoa?

Sidosryhmät ovat laajalti yksimielisiä siitä, että nykyinen lääkejärjestelmä takaa potilasturvallisuuden korkean tason ja että tarkistuksella voidaan parantaa järjestelmää edelleen siten, että pystytään vastaamaan uusiin haasteisiin ja lisäämään turvallisten ja kohtuuhintaisten lääkkeiden tarjontaa, parantamaan saatavuutta potilaiden kannalta sekä innovointia erityisesti aloilla, joilla potilaiden lääketieteelliset tarpeet eivät täyty. Kansalaiset, potilaat ja kansalaisjärjestöt odottavat, että koko EU:ssa on tasapuolisesti saatavilla innovatiivisia hoitoja myös tällä hetkellä täyttämättömiä lääketieteellisiä tarpeita varten ja että heidän lääkkeitään toimitetaan jatkuvasti. Viranomaiset ja potilasjärjestöt pitävät parhaana vaihtoehdon C mukaista nykyisen tärkeimmän kannustimen vaihtelevaa kestoa. Lääketeollisuus vastustaa kannustinajanjaksojen mukauttamista tai lyhentämistä ja kannattaa uusien tai lisäkannustimien käyttöönottoa. Teollisuus on myös korostanut nykyisen oikeudellisen kehyksen vakauden ja kannustimien ennustettavuuden tarvetta. Vaihtoehtoon C sisältyy ympäristöön, ei-kaupallisille yhteisöille myönnettävään sääntelyyn liittyvään tukeen ja lääkkeiden uusien käyttöaiheiden määrittämiseen liittyviä elementtejä, jotka saivat tukea muilta keskeisiltä sidosryhmiltä, kuten terveydenhuollon tarjoajilta, tiedeyhteisöltä ja ympäristöjärjestöiltä.

3. Parhaaksi arvioidun vaihtoehdon vaikutukset

Mitkä ovat parhaaksi arvioidun vaihtoehdon hyödyt (jos parhaaksi arvioitua vaihtoehtoa ei ole, päävaihtoehtojen hyödyt)?

Mukautetulla kannustinjärjestelmällä pystytään tasapainoisesti sekä tarjoamaan houkuttelevia innovointikannustimia että varmistamaan innovatiivisten hoitojen oikea-aikainen saanti potilaille kaikkialla EU:ssa. Täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin liittyvän lisäkannustimen ansiosta saadaan käyttöön enemmän lääkkeitä, jotka edistävät kansanterveyttä. Mikrobilääkeresistenssin lisääntymisen ongelmaan puututaan toimenpiteillä, jotka tukevat uusien mikrobilääkkeiden kehittämistä ja lääkkeiden maltillista käyttöä. Rinnakkaisvalmisteiden ja biosimilaarien aikaisempaa markkinoille pääsyä helpottavilla toimenpiteillä tuetaan lääkkeiden kohtuuhintaisuutta. Sääntelykehyksen tulevaisuudenkestävyyden varmistamiseksi siihen sisällytetään murrokselliset teknologiat ja digitalisaatio. Toimitusvarmuuteen liittyvät toimenpiteet vähentävät pulaa lääkkeistä. Yksinkertaistaminen ja digitalisaation pitkän aikavälin hyödyt tuovat säästöjä (teollisuudessa 525–1 050 miljoonaa euroa tulevien 15 vuoden aikana) ja kattavat todennäköisesti mahdolliset uudet hallintokustannukset sekä nopeuttavat myyntilupien myöntämistä ja tehostavat resurssien käyttöä. Julkisen terveydenhuollon budjetit hyötyisivät tiukemmista kilpailu- ja läpinäkyvyystoimenpiteistä, jotka liittyvät kliinisten lääketutkimusten julkiseen rahoitukseen. Perusteellisempi ympäristöriskien arviointi tukee ympäristötavoitteita.

Mitkä ovat parhaaksi arvioidun vaihtoehdon kustannukset (jos parhaaksi arvioitua vaihtoehtoa ei ole, päävaihtoehtojen kustannukset)?

Teollisuudelle aiheutuu kustannuksia lääkepulaa ja ympäristöriskejä koskevasta tiiviimmästä raportoinnista ja markkinoille pääsyä koskevien ehtojen täytäntöönpanosta. Yritykset, jotka eivät varmista tuotteidensa saatavuutta potilaille kaikissa jäsenvaltioissa, saattavat saada vähemmän tuottoa sijoitukselle. Vaihtoehto C tarjoaisi potilaille huomattavasti paremmat

mahdollisuudet (+ 8–15 %) saada innovatiivisia lääkkeitä, ja aiempaa suurempi osuus lääkkeistä vastaisi täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin.

Mikrobilääkkeisiin tehtäviin investointeihin tarvittaisiin noin 500 miljoonaa euroa julkista rahoitusta, ja rinnakkaisvalmisteiden tuotannonala sekä tulevia hinnoittelu- ja korvattavuuspäätöksiä tukevat vertailevat lääketutkimukset kasvattaisivat terveydenhuoltojärjestelmille aiheutuvia kustannuksia (326–408 miljoonalla eurolla). Nämä kustannukset korvautuisivat kuitenkin kustannussäästöillä, joita saadaan mukautetuista kannustimista sekä hyödyistä, kuten vertailevien lääketutkimusten mahdollistamista nopeammista ja paremmista korvattavuuspäätöksistä. Uudet velvoitteet, joiden tarkoituksena on ehkäistä lääkepulaa ja täyttää ympäristönormit, aiheuttavat yrityksille lisäkustannuksia (30 miljoonaa euroa vuodessa). Rinnakkaisvalmisteita ja biosimilaareja valmistava teollisuus hyötyy toimenpiteistä, joilla aikaistetaan markkinoille pääsyä, yksinkertaistetaan vaatimuksia ja kevennetään menettelyjä.

Nykyiset kannustimet säilyvät niille yrityksille, jotka vastaavat täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin ja huolehtivat saatavuudesta potilaiden kannalta kaikkialla EU:ssa. Näin ollen EU pysyy jatkossakin houkuttelevana markkinana lääkkeiden kehittäjille, ja lääkkeitä tuotetaan enemmän etenkin täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin.

Mitkä ovat vaikutukset pieniin ja keskisuuriin yrityksiin (pk-yrityksiin)?

Pk-yritysten voi olla vaikeampaa sopeutua markkinoille saattamiseen liittyvien kannustimien mukauttamiseen, koska niillä ei useinkaan ole valmiuksia toimittaa lääkkeitä kaikkiin jäsenvaltioihin nopeasti. Näiden vaikutusten lieventämiseksi voitaisiin kuitenkin asettaa pk-yrityksiin sovellettavia erityisehtoja. Pk-yritykset voivat puolestaan hyötyä enemmän täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin liittyvästä kannustimesta, koska ne harjoittavat enemmän riskialttiimpaa tutkimus- ja kehittämistoimintaa aloilla, joita varten ei ole riittävästi hoitoja. Siirrettävissä olevien yksinoikeusseteleiden käyttöönotto uusille mikrobilääkkeille auttaisi samoista syistä pk-yrityksiä houkuttelemaan tutkimus- ja kehittämisinvestointeja. Lisävelvoitteet (ympäristöön ja tarjontaan liittyvät) lisäisivät hallinnollista rasitetta ja säännösten noudattamisesta aiheutuvaa rasitetta. Toisaalta pk-yritykset hyötyisivät todennäköisemmin ”systeemisistä” muutoksista. Menettelyjen yksinkertaistaminen, sähköisten menettelyjen laajempi käyttö ja hallinnollisen rasitteen vähentäminen ovat erityisen tärkeitä, ja niiden odotetaan vähentävän kustannuksia. Lisäksi pk-yritykset hyötyvät tehostetusta tieteellisestä neuvonnasta, sääntelyyn liittyvästä tuesta ja maksujen alennuksista.

Kohdistuuko jäsenvaltioiden budjettiin ja julkishallintoon merkittäviä vaikutuksia?

Lääkkeiden saatavuutta ja täyttämättömiin lääketieteellisiin tarpeisiin vastaavia valmisteita koskevien toimenpiteiden rahalliset vaikutukset kansallisiin terveydenhuoltobudjetteihin olisivat myönteisiä tai neutraaleja. Myönteistä lisävaikutusta budjetteihin on odotettavissa säästöistä, joita saadaan sairaalahoidon ja avohoidon tarpeen vähenemisestä. Siirrettävissä olevat yksinoikeussetelit lisäisivät terveydenhuoltojärjestelmien kustannuksia. Tätä on tarkasteltava suhteessa resistenttien bakteerien uhkaan ja mikrobilääkeresistenssistä aiheutuviin kustannuksiin, kuten kuolemiin (33 000 vuodessa), terveydenhuoltokustannuksiin ja tuottavuuden menetyksiin (EU:ssa 1,5 miljardia euroa vuodessa).

Onko toimenpiteellä muita merkittäviä vaikutuksia?

Merkittävin vaikutus on innovatiivisten lääkkeiden laajempi ja nopeampi saatavuus potilaiden kannalta koko EU:ssa. Lisäksi t&k-investoinnit lisäisivät hoitovaihtoehtoja ja hyödyttäisivät

potilaita erityisesti täyttämättömien lääketieteellisten tarpeiden suhteen. Ympäristöriskien arviointia koskevien tiukempien vaatimusten odotetaan saavan aikaan myönteisiä ympäristövaikutuksia. Mikrobilääkkeiden maltillista käyttöä edistävät toimenpiteet vähentävät resistenssiriskiä. Vertailevat lääketutkimukset ja parempi elinkaaren aikainen koordinointi tarjoaisivat paremman näyttöpohjan jäsenvaltioiden hinnoittelu- ja korvattavuuspäätöksille ja voisivat tukea lääkkeiden nopeampaa saatavuutta myyntiluvan myöntämisen jälkeen. Horisontaaliset elementit lisäävät järjestelmän tehokkuutta ja vähentävät yrityksille ja viranomaisille aiheutuvia kustannuksia.

Suhteellisuusperiaate

Aloitteessa ei ylitetä sitä, mikä on tarpeen tarkistuksen tavoitteiden saavuttamiseksi. Se toteutetaan tavalla, joka edistää kansallisia toimia, jotka eivät muutoin riittäisi näiden tavoitteiden saavuttamiseen tyydyttävällä tavalla.

4. Jatkotoimet

Milloin asiaa tarkastellaan uudelleen?

Uusien lääkkeiden kehittäminen voi olla pitkä prosessi, joka saattaa kestää jopa 10–15 vuotta. Kannustimien ja palkkioiden vaikutus tuntuu näin ollen vasta usean vuoden kuluttua myyntiluvan myöntämisestä. Myös potilaille koituvaa hyötyä on tarpeen mitata vähintään 5–10 vuoden ajan sen jälkeen, kun lääkkeelle on myönnetty myyntilupa. Komissio aikoo tarkastella aloitetta uudelleen säännöllisin väliajoin. Tarkistetun säädöksen tulosten merkityksellinen arviointi on kuitenkin mahdollista vasta vähintään 15 vuoden kuluttua sen voimaantulosta.